



# GTR

WFH GENE THERAPY  
REGISTRY

# WFH遺伝子治療 レジストリ

遺伝子治療に関する知識を深め、  
患者の安全を確保する

WFH遺伝子治療レジストリ(GTR)は、遺伝子治療を受けた血友病患者(PWH)の長期データを収集することを目的とした世界的な取り組みです。これらのデータにより、遺伝子治療の理解が深まり、血友病コミュニティが遺伝子治療の長期的安全性と有効性に関するエビデンスをタイムリーに入手できるようになります。



# WFH

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA  
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOFILIE  
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA



## 血友病コミュニティへの安全確保が必要

血友病を対象とする遺伝子治療製剤の承認が進む中、患者に対する長期的な影響を検討することが不可欠になっています。遺伝子治療を受ける血友病患者の数は最初は限られ、何カ国にも分散する可能性があるため、転帰パターンを特定し、個々の患者の転帰を有意義な方法で比較することは困難を伴うでしょう。WFH GTRは、各国におけるデータをプールすることにより、安全性関連事象を堅固な方法で評価し、遺伝子治療を持続的な方法として確立する支援をしています。このように、本レジストリは、地理的に分散した小集団の場合でも、まれな有害事象を確実に検出できる最良の方法となります。

## 参加者募集!

血友病患者の安全を確保することは関係者全員の責任です。血友病患者であれば、遺伝子治療をすでに受けていようと、今後受ける予定であろうと、誰でもどの治療段階であっても、WFH GTRに参加できます。すべての血友病治療センター (HTCs) および各国血友病レジストリがこの世界的な取り組みに参加することをWFHはおすすめています。

## WFHGTRのしくみ

WFH GTRは、臨床試験を介してまたは承認後の遺伝子治療製剤を介して、遺伝子治療を受けるすべての血友病患者について、統一された標準化データを収集するウェブベースのオンラインシステムです。GTRのコアデータセットは、複数の利害関係者からなる運営委員会によって開発され、オンラインで利用できます。患者データは、GTRに参加している血友病治療センター (HTC) により直接入力されるほか、WFHの遺伝子治療データ統合プログラムを介することでも追加されます。これにより、既存の国内レジストリをWFH GTRに直接リンクできるため、データの重複入力を回避できます。

## お問い合わせ

WFH GTRの詳細については、[wfh.org/ja/data-collection](https://wfh.org/ja/data-collection) をご参照ください。あなたが患者さんでWFH GTR参加を希望される場合は、最寄りのHTCにお問い合わせください。あなたがHTCまたは各国レジストリの関係者で参加を希望する場合は、WFH ([gtr@wfh.org](mailto:gtr@wfh.org)) までご連絡ください。

## WFHのパートナー

WFH GTRは、American Thrombosis and Hemostasis Network (ATHN)、European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD)、European Haemophilia Consortium (EHC)、International Society of Thrombosis and Hemostasis (ISTH)、National Hemophilia Foundation (NHF)、業界の遺伝子治療開発パートナーおよび規制折衝責任者との連携により開発されました。

WFH GTRは、以下のパートナーからの寛大な資金提供により支えられています。

資金提供バイジョナリー・パートナー

**BiOMARIN**

**CSL Behring**  
Biotherapies for Life™

**Pfizer**

**Spark**  
THERAPEUTICS

連携パートナー

**Takeda**